

עלון לצרכן לפי תקנות הרוקחים (תכשירים) התשמ"ו – 1986

התרופה משווקת על פי מרשם רופא בלבד

אלוודיס

1.33x10¹³ vector genomes/mL

תמיסה לעירווי

הרכב:

כל בקבוקון מכיל:

דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק (delandistrogene moxeparvovec)

1.33x10¹³ vector genomes/mL

לחומרים בלתי פעילים ראה סעיף 6 "מידע נוסף".

קרא בעיון את העלון עד סופו בטרם תשתמש בתרופה. עלון זה מכיל מידע תמציתי על התרופה. אם יש לך שאלות נוספות, פנה אל הרופא או אל הרוקח. שמור את העלון. ייתכן שתצטרך לקרוא אותו שוב.

תרופה זו נרשמה לטיפול במחלתך. אל תעביר אותה לאחרים. היא עלולה להזיק להם אפילו אם נראה לך כי מצבם הרפואי דומה.

בנוסף לעלון, לתכשיר אלוודיס קיים כרטיס למטופל ומדריך למטפל. מסמכים אלו מכילים מידע בטיחותי חשוב שעליך לדעת לפני התחלת הטיפול ובמהלך הטיפול באלוודיס ולפעול על פיהם. יש לעיין במסמכים אלו ובעלון לצרכן בטרם תחילת השימוש בתכשיר. יש לשמור את המסמכים לעיון נוסף בעת הצורך.

אזהרה: פגיעה חמורה וחרیפה בכבד ואי ספיקת כבד חריפה

- פגיעה חמורה וחריפה בכבד, כולל אי ספיקת כבד חריפה מסכנת חיים וקטלנית, התרחשה עם אלוודיס.
- חולים עם פגיעה כבדית קיימת עשויים להיות בסיכון גבוה יותר.

1) למה מיועדת התרופה?

אלוודיס מיועדת לטיפול בילדים מעל גיל 4 שנים ומתחת לגיל 8 שנים שיכולים ללכת (אמבולטוריים), עם ניוון שרירים על שם דושן (DMD) עם מוטציה ודאית בגן DMD.

קבוצה תרפויטית: תרפיה גנית.

אלוודיס היא תרפיה גנית אשר מכילה את החומר הפעיל דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק.

הרופא המטפל יבדוק את ילדך לפני תחילת הטיפול באלוודיס על מנת לוודא כי תרופה זו מהווה טיפול מתאים, ראה סעיף 2.

כיצד אלוודיס פועלת:

DMD נגרמת על ידי שינוי אשר נקרא מוטציה בגן ה-DMD.

- גן DMD מייצר חלבון הנקרא דיסטרופין.
- דיסטרופין דרוש על מנת שהשרירים יפעלו כראוי.

אנשים עם DMD אינם מסוגלים לייצר גרסה מתפקדת של חלבון זה.

אלוודיס מחדירה גן לתוך הגוף. גן זה מכיל את המידע הנדרש לשרירים לייצר חלבון מיקרו-דיסטרופין של אלוודיס. זוהי גרסה מקוצרת ומתפקדת של דיסטרופין. זה עוזר להגן על השרירים מפני נזק.

הגן לייצור חלבון מיקרו-דיסטרופין של אלוודיס מועבר לתאי השריר על ידי נגיף מותאם שאינו גורם למחלה.

(2) לפני השימוש בתרופה

אין להשתמש בתרופה אם:

- ילדך רגיש (אלרגי) לחומר הפעיל דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק או לכל אחד מהמרכיבים הנוספים אשר מכילה התרופה (ראה סעיף 6 – "מידע נוסף").
- בדיקה גנטית מראה כי בגן ה-DMD של ילדך חסר חלק כלשהו או כולו מקטע מסוים של הגן (נקרא אקסון 8 ו/או אקסון 9).

אזהרות מיוחדות הנוגעות לשימוש בתרופה

לפני ההחלטה על הטיפול באלוודיס:

- כדי לעזור בהחלטה אם אלוודיס מתאימה, הרופא המטפל:
- יבצע בדיקת רפואית שמחפשת שינויים מסוימים בגן ה-DMD.
- יבדוק נוגדנים מסוימים - חלבון שמיוצר על ידי מערכת החיסון של הגוף.

לפני הטיפול באלוודיס ספר לרופא המטפל או לאחות אם:

- לילדך היו בעיות כלשהן בכבד. זה חשוב מאחר שלאחר טיפול באלוודיס ילדך עלול להיות בסיכון גבוה יותר לפתח בעיות בכבד או להחמרה של בעיות כבד קיימות.
- ילדך לוקח תרופות או תוספי תזונה כלשהם.
- זיהום לפני קבלת אלוודיס עלול להוביל לתופעות לוואי חמורות יותר.
- סימנים של זיהום כוללים שיעול, צפצופים בנשימה, התעטשויות, אף מנוזל, כאב גרון או חום.
- ספר מייד לרופא המטפל או האחות אם יש לילדך כל אחד מסימנים או תסמינים אלו.

למידע נוסף ראה סעיף "בדיקות ומעקב - לפני הטיפול באלוודיס" וסעיף "חיסונים".

לאחר הטיפול באלוודיס ספר מייד לרופא המטפל או האחות אם:

אלוודיס עשויה לגרום לתופעות לוואי מסוימות שעליך לספר מייד לרופא המטפל או האחות (ראה סעיף 4 "תופעות לוואי" למידע נוסף).

בעיות בכבד

- תרופה זו עשויה להוביל לעלייה באנזימי כבד (חלבונים הנמצאים בתוך הגוף) בדם. פירוש הדבר עשוי להיות שהכבד ניזוק או דלקתי. ראה סעיף 4 לפרטים על הסימנים של בעיות בכבד.
- פגיעה בכבד עשויה להוביל לתוצאות חמורות, כולל אי ספיקת כבד ומוות.

דלקת של שריר הלב (מיוקרדיטיס)

- דלקת של שריר הלב (הנקראת מיוקרדיטיס) עשויה להתרחש לאחר טיפול עם אלוודיס. ראה סעיף 4 לפרטים על הסימנים של בעיות בשריר הלב.

- מטופלים עם "קרדיומיופטיה" – מחלה של שריר הלב המשפיעה על תפקודו, אשר עלולה להשפיע על יכולת השאיבה של הלב – עשויים להיות בסיכון לתופעות לוואי חמורות יותר.

תגובות הקשורות לעירוי

- תופעות לוואי הקשורות לעירוי יכולות להתרחש במהלך או לאחר מתן אלוודיס. ראה סעיף 4 לפרטים על הסימנים של תגובות הקשורות לעירוי.
- בהתאם לתסמינים, העירוי עשוי להיות איטי יותר או שיופסק.
- הרופא המטפל עשוי להחליט שיש לתת תרופות נוספות.
- אם ניתן להתחיל את הטיפול מחדש, ייתכן שהוא יינתן בקצב איטי יותר.

דלקת של השרירים (מיוסיטיס)

- דלקת של השרירים (הנקראת מיוסיטיס) – בשרירים אשר עוזרים לך לנוע – עשויה להתרחש לאחר טיפול עם אלוודיס. ראה סעיף 4 לפרטים על הסימנים של בעיות בשרירים.
- מטופלים שיש להם חלק מסוים חסר בגן ה-DMD (נקרא אקסון 8 או אקסון 9) לא יכולים לקבל תרופה זו, ראה סעיף 2 "אין להשתמש בתרופה אם".
- מטופלים עם שינויים אחרים (הידועים כמוטציות) בגן ה-DMD עשויים להיות בסיכון גם כן.
- הרופא המטפל עשוי לבדוק אם הלב מושפע על ידי ביצוע בדיקת דם. הרופא המטפל עשוי להפנות אותך לרופא מומחה לבדיקות נוספות.

ספר מייד לרופא המטפל או האחיות אם יש לילדך כל אחת מתופעות הלוואי הבאות במהלך או לאחר הטיפול באלוודיס:

זיהום

- נטילת תרופות מסוימות כמו קורטיקוסטרואידים עלולה להשפיע על מערכת החיסון (ההגנה) של הגוף. דבר אשר עלול להעלות את הסיכוי לפתח זיהום חמור.
- זיהום לאחר טיפול באלוודיס עשוי להוביל לבעיות בריאותיות חמורות, כולל מוות.
- עליך לשים לב לסימנים של זיהום, כגון שיעול, צפצופים בנשימה, התעטשויות, אף מנוזל, כאב גרון או חום.
- ספר מייד לרופא המטפל או האחיות אם יש לילדך כל אחד מסימנים או תסמינים אלו.

ילדים ומתבגרים

אלוודיס מיועדת לטיפול בילדים מעל גיל 4 שנים ומתחת לגיל 8 שנים שיכולים ללכת (אמבולטוריים) עם ניוון שרירים על שם דושן (DMD) עם מוטציה ודאית בגן DMD.

למידע נוסף ראה סעיף "מידע נוסף למטופלים/הורים/מטפלים".

בדיקות ומעקב

לפני הטיפול באלוודיס

ילדך יבצע בדיקת דם כדי לבדוק את:

- בריאות הכבד.
- מספר טסיות הדם – אלו תאים בדם אשר מונעים ועוצרים דימום.
- רמות טרופונין-I – חלבון שמשוחרר בדם כאשר שריר הלב ניזוק.

לאחר הטיפול באלוודיס

חשוב מאוד ללכת לכל ביקורי המעקב והבדיקות. לאחר הטיפול, יבוצעו בדיקות דם שבועיות, כדי לבדוק:

- תפקודי כבד, כולל עלייה באנזימי כבד למשך 3 חודשים לפחות לאחר הטיפול.
- שינויים במספר טסיות הדם במשך השבועיים הראשונים.
- שינויים ברמות טרופונין-I במשך החודש הראשון.

אינטראקציות/תגובות בין תרופתיות

אם אתה לוקח או אם לקחת לאחרונה תרופות אחרות, כולל תרופות ללא מרשם ותוספי תזונה, ספר על כך לרופא או לרוקח. במיוחד אם אתה לוקח:

קורטיקוסטרואידים

- ילדך יקבל תרופה נוספת (קורטיקוסטרואידים), זאת למשך תקופה של כחודשיים או יותר כחלק מהטיפול באלוודיס.
- אם ילדך כבר לוקח תרופת קורטיקוסטרואיד, הרופא המטפל ינחה אותך כיצד יעלה מינון תרופת הקורטיקוסטרואיד.
- המינון תלוי במשקל ילדך. הרופא המטפל יחשב את המינון.
- על ילדך לקבל את הטיפול בהתאם להנחיות.
- תרופת הקורטיקוסטרואיד תעזור לשלוט בעלייה באנזימי הכבד שעשויה להתרחש לאחר טיפול באלוודיס. המינון עשוי לעלות במידת הצורך.
- צור קשר מייד עם הרופא המטפל או חפש עזרה רפואית דחופה אם ילדך לא לוקח, או מקיא מייד לאחר נטילת מנה של קורטיקוסטרואידים.

חיסונים

- קורטיקוסטרואידים יכולים להשפיע על מערכת החיסון (ההגנה) של הגוף. הרופא המטפל עשוי להחליט לשנות את מועד החיסונים לפני ואחרי טיפול באלוודיס.
- היוועץ ברופא המטפל או האחות אם יש לך שאלות.

מידע נוסף למטופלים/הורים/מטפלים

היגיינת ידיים טובה

- הווירוס המותאם באלוודיס יעבור באופן זמני ליציאות הגוף של ילדך לאחר הטיפול - כלומר בשתן, בצואה או ברוק. זה נקרא 'shedding'.
- הורים ומטפלים צריכים להקפיד על היגיינת ידיים טובה למשך **חודש אחד** לאחר שילדך קיבל אלוודיס.
 - השתמש בכפפות מגינות בעת הטיפול ביציאות הגוף או הנוזלים של ילדך.
 - שטוף ביסודיות את ידיך עם מים זורמים וסבון לאחר הטיפול ביציאות הגוף או הנוזלים של ילדך.
 - השלך בפסולת הביתית בשקיות פלסטיק כפולות אטומות את החיתולים המלוכלכים ושאר פריטי פסולת.
- היוועץ ברופא המטפל או האחות אם יש לך שאלות.

(3) כיצד תשתמש בתרופה?

יש להשתמש בתכשיר תמיד בהתאם להוראות הרופא. עליך לבדוק עם הרופא או הרוקח אם אינך בטוח בנוגע למינון ואופן הטיפול בתכשיר. המינון ואופן הטיפול ייקבעו על-ידי הרופא בלבד.

אלוודיס ניתנת על ידי רופא או אחות המומנים בטיפול במחלת ה-DMD של ילדך. אלוודיס ניתנת במרכז רפואי.

אלוודיס ניתנת פעם אחת בלבד.

הרופא המטפל יחשב את כמות אלוודיס שתינתן לפי משקל ילדך.

אלוודיס ניתנת לתוך הווריד בעירוני אחד למשך כשעה-שעתיים, או יותר אם הרופא המטפל מחליט שצריך.

במהלך העירוני ואחריו, ילדך יבדק כדי לזהות תופעות לוואי אפשריות. ילדך יורשה לחזור הביתה (בדרך כלל מאוחר יותר באותו היום) לאחר שיוחלט כי אין צורך בהשגחה נוספת.

אין לעבור על המנה המומלצת.

יש להקפיד על הוראות הטיפול והמעקב כפי שנקבעו על ידי הרופא.

אין ליטול תרופות בחושך! בדוק התווית והמנה בכל פעם שאתה נוטל תרופה. הרכב משקפיים אם אתה זקוק להם.

אם יש לך שאלות נוספות בנוגע לשימוש בתרופה, היוועץ ברופא או ברוקח.

תופעות לוואי (4)

כמו בכל תרופה, השימוש באלוודיס עלול לגרום לתופעות לוואי בחלק מהמשתמשים. אל תיבהל למקרא רשימת תופעות הלוואי. ייתכן שלא תסבול מאף אחת מהן.

פנה לעזרה רפואית דחופה אם יש לילדך סימן או תסמין כלשהו מהבאים לאחר הטיפול באלוודיס – ייתכן שיהיה צורך בטיפול רפואי דחוף:

תופעות לוואי שכיחות מאוד (עשויות להשפיע על יותר ממשתמש אחד מתוך עשרה):

- הצהבה של העור או של החלק הלבן בעיניים (צהבת), כאב בטן, תחושת עייפות או הקאות – אלו עשויים להיות סימנים של בעיות בכבד.

תופעות לוואי שכיחות (עשויות להשפיע על עד אחד מתוך עשרה משתמשים):

- קצב לב מהיר (טכיקרדיה), נשימה מהירה, שפתיים נפוחות, קוצר נשימה, הרחבת נחיריים (אף מודלק), סרפדת (אורטיקריה), עור אדום עם כתמים, שפתיים מגרדות או דלקתיות, נקודות מגרדות – אלו עשויים להיות סימנים לתופעות לוואי קשורות לעירוני (תגובות הקשורות לעירוני).

תופעות לוואי שאינן שכיחות (עשויות להשפיע על עד אחד מתוך 100 משתמשים):

- קוצר נשימה, תחושת עייפות, כאב או אי נוחות בחזה, נפיחות בקרסוליים או ברגליים, קצב לב לא סדיר, ועילפון – אלו עשויים להיות סימנים של בעיות בלב (מיוקרדיטיס).
- חולשה לא רגילה בשריר, כאב או רגישות בשריר, בעיות בדיבור (קול חלש), בבליעה או בנשימה – אלו עשויים להיות סימנים לדלקת בשרירים (מיוסיטיס).

היוועץ ברופא המטפל או האחות אם ילדך מפתח כל תופעת לוואי אחרת. אלה יכולות לכלול:

תופעות לוואי שכיחות מאוד (עשויות להשפיע על יותר מאחד מתוך עשרה משתמשים):

- בחילה
- עלייה באנזימי כבד שנצפתה בבדיקות דם
- חום

תופעות לוואי שכיחות (עשויות להשפיע על עד אחד מתוך עשרה משתמשים):

- ירידה במספר הטסיות שנצפתה בבדיקות דם (טרומבוציטופניה)

אם הופיעה תופעת לוואי, אם אחת מתופעות הלוואי מחמירה או כאשר אתה סובל מתופעת לוואי שלא צוינה בעלון, עליך להתייעץ עם הרופא.

חלק מתופעות הלוואי יכולות להופיע גם פרק זמן מסוים לאחר הטיפול ולא דווקא מייד אחריו.
[דיווח על תופעות לוואי](#)

ניתן לדווח על תופעות לוואי למשרד הבריאות באמצעות לחיצה על הקישור "דיווח על תופעות לוואי עקב טיפול תרופתי" שנמצא בדף הבית של אתר משרד הבריאות (www.health.gov.il) המפנה לטופס המקוון לדיווח על תופעות לוואי, או על ידי כניסה לקישור: <https://sideeffects.health.gov.il>

5 איך לאחסן את התרופה?

מנע הרעלה! תרופה זו וכל תרופה אחרת יש לשמור במקום סגור מחוץ להישג ידם ולטווח ראייתם של ילדים ו/או תינוקות ועל ידי כך תמנע הרעלה. אל תגרום להקאה ללא הוראה מפורשת מהרופא.

המידע הבא מיועד לצוות הרפואי אשר יכין וייתן את התרופה.

- הרחק את התרופה מהישג ידם וטווח ראייתם של ילדים.
- אין להשתמש בתרופה לאחר תאריך התפוגה אשר מצוין על גבי תווית הבקבוקון ועל גבי האריזה החיצונית. תאריך התפוגה המצוין על גבי האריזה החיצונית מתייחס לחיי המדף של התרופה כאשר היא מאוחסנת בטמפרטורה של 60°C או פחות. תאריך התפוגה מתייחס ליום המדויק בחודש.
- בקבוקונים יישלחו קפואים (בטמפרטורה של 60°C או פחות). עם קבלתם, יש לאחסן את הבקבוקונים בהקפאה (בטמפרטורה של 60°C או פחות).
- ניתן לשמור את התרופה במקרר בטמפרטורה של 2°C - 8°C .
 - כאשר התרופה בקירור, יש להשתמש בה בתוך 14 יום.
 - יש לכתוב את תאריך התפוגה החדש על האריזה החיצונית של התרופה לפני ששומרים אותה במקרר.
 - לאחר הפשרה, אין להקפיא מחדש ואין לנער.
- לפני פתיחה/הכנה ניתן לשמור בטמפרטורה עד 25°C , עד 24 שעות, כאשר מאוחסן באריזה המקורית.
- אין להחזיר את התרופה למקרר או להקפיא אותה מחדש לאחר שהתרופה הגיעה לטמפרטורת החדר.
- התרופה מכילה אורגניזמים מהונדסים גנטית. יש להשליך תרופה שלא נעשה בה שימוש ושאריות תרופה בהתאם להנחיות המקומיות לטיפול בפסולת ביולוגית.

אל תשליך תרופות לפח האשפה הביתי או למי הביוב. שאל את הרוקח כיצד להשליך תרופות שאין לך יותר שימוש בהן. צעדים אלו יעזרו להגן על הסביבה.

6 מידע נוסף

מה אלוודיס מכילה?

החומר הפעיל הינו דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק. כל מ"ל של דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק מכיל 1.33×10^{13} vector genomes.

נוסף על החומר הפעיל התרופה מכילה גם:

sodium chloride, tromethamine HCL, tromethamine, magnesium chloride, poloxamer 188 and water for injection.

כיצד נראית אלוודיס ומה תוכן האריזה:

אלוודיס היא נוזל צלול וחסר צבע לעירוי, שעשוי להיות בעל מידת מה של עכירות ועשוי להכיל חלקיקים לבנים עד אוף וייט.

אלוודיס מסופקת בבקבוקונים של 10 מ"ל. כל בקבוקון הוא לשימוש חד פעמי בלבד.

כל אריזה מכילה 10 עד 35 בקבוקונים, או 36 עד 70 בקבוקונים.

בעל הרישום וכתובתו: רוש פרמצבטיקה (ישראל) בע"מ, ת.ד. 6391, הוד השרון 4524079.

שם היצרן וכתובתו: F. Hoffmann-La Roche Ltd., Grenzacherstrasse 124, CH-4058 Basel, Switzerland

נערך בפברואר 2026.

מספר רישום התרופה בפנקס התרופות הממלכתי במשרד הבריאות:
176-89-37834-00

לשם הפשטות ולהקלת הקריאה עלון זה נוסח בלשון זכר. על אף זאת, התרופה מיועדת לבני שני המינים.